

(12) МЕЖДУНАРОДНАЯ ЗАЯВКА, ОПУБЛИКОВАННАЯ В
СООТВЕТСТВИИ С ДОГОВОРом О ПАТЕНТНОЙ КООПЕРАЦИИ (РСТ)

(19) Всемирная Организация
Интеллектуальной Собственности
Международное бюро

(43) Дата международной публикации
23 февраля 2023 (23.02.2023)



(10) Номер международной публикации
WO 2023/022634 A1

(51) Международная патентная классификация:

C07K 14/075 (2006.01) *C12N 7/01* (2006.01)
C07K 14/005 (2006.01) *C12N 15/09* (2006.01)
C12N 15/861 (2006.01) *A61K 48/00* (2006.01)

(21) Номер международной заявки: РСТ/RU2022/050258

(22) Дата международной подачи:
21 августа 2022 (21.08.2022)

(25) Язык подачи: Русский

(26) Язык публикации: Русский

(30) Данные о приоритете:
2021124726 20 августа 2021 (20.08.2021) RU

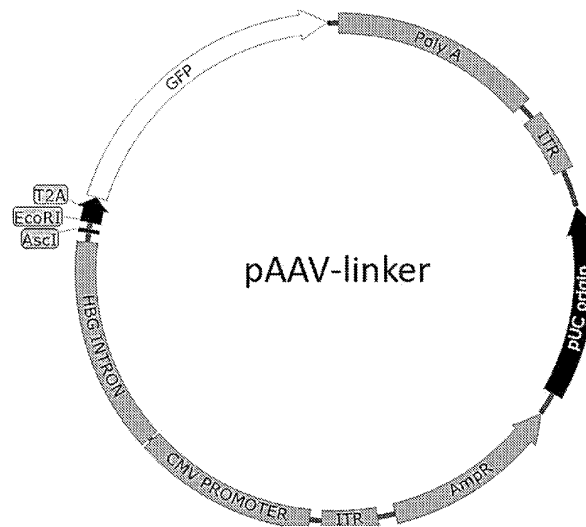
(71) Заявитель: АКЦИОНЕРНОЕ ОБЩЕСТВО "БИО-
КАД" (JOINT STOCK COMPANY "BIOCAD")

[RU/RU]; 198515, г. Санкт-Петербург, вн. тер. г. посе-
лок Стрельна, п. Стрельна, ул. Связи, д. 38, стр. I, по-
мещ. 89, 198515, Saint Petersburg (RU).

(72) Изобретатели: СТЕЛКОВА, Анна Николаевна
(STRELKOVA, Anna Nikolaevna); ул. Лагуновская, д.
65А, кв. 64, Яранск, Кировская обл., 612261, Yaransk,
Kirovskaya obl. (RU). ШУГАЕВА, Татьяна Евгеньевна
(SHUGAEVA, Tatiana Evgenievna); Фрунзенская
наб., д. 10, кв. 5, Москва, 119021, Moscow (RU).
ГЕРШОВИЧ, Павел Михайлович (GERSHOVICH,
Pavel Mikhailovich); Петергофское ш., д. 45, кв.
627, Санкт-Петербург, 198328, Saint Petersburg (RU).
ЯКОВЛЕВ, Павел Андреевич (IAKOVLEV, Pavel
Andreevich); ул. Большая Подъяческая, д. 29, кв.
16, Санкт-Петербург, 190068, Saint Petersburg (RU).
МОРОЗОВ, Дмитрий Валентинович (MOROZOV,

(54) Title: ISOLATED MODIFIED AAV9 CAPSID PROTEIN VP1

(54) Название изобретения: ВЫДЕЛЕННЫЙ МОДИФИЦИРОВАННЫЙ БЕЛОК VP1 КАПСИДА AAV9



Фиг. 1

(57) Abstract: The present application relates to the field of gene therapy and molecular biology. More particularly, the present invention relates to an isolated modified VP1 capsid protein of adeno-associated virus serotype 9 (AAV9), which contains one or more amino acid substitutions by comparison with VP1 capsid protein of wild-type AAV9, which provide for more effective production (assembly) of a vector based on recombinant adeno-associated virus serotype 9 (rAAV9), as well as to a capsid, a vector based on the aforesaid VP1, and the use of same.

(57) Реферат: Настоящая заявка относится к области генной терапии и молекулярной биологии. Более конкретно, настоящее изобретение относится к выделенному модифицированному белку VP1 капсида аденоассоциированного вируса 9 серотипа

[продолжение на следующей странице]



WO 2023/022634 A1

Dmitry Valentinovich); Адмиралтейский р-он, ул. Почтамтская, д. 20, кв. 3, Санкт-Петербург, 190000, Saint-Petersburg (RU).

(74) **Агент: МЕЛЬЧАЕВА, Ольга Анатольевна (MELCHAEVA, Olga Anatolevna)**; вн. тер. г. поселок Стрельна, п. Стрельна, ул. Связи, д. 38, стр. 1, помещ. 89, Санкт-Петербург, 198515, Saint Petersburg (RU).

(81) **Указанные государства** (если не указано иначе, для каждого вида национальной охраны): AE, AG, AL, AM, AO, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BH, BN, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CL, CN, CO, CR, CU, CV, CZ, DE, DJ, DK, DM, DO, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, GT, HN, HR, HU, ID, IL, IN, IQ, IR, IS, IT, JM, JO, JP, KE, KG, KH, KN, KP, KR, KW, KZ, LA, LC, LK, LR, LS, LU, LY, MA, MD, ME, MG, MK, MN, MW, MX, MY, MZ, NA, NG, NI, NO, NZ, OM, PA, PE, PG, PH, PL, PT, QA, RO, RS, RU, RW, SA, SC, SD, SE, SG, SK, SL, ST, SV, SY, TH, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, WS, ZA, ZM, ZW.

(84) **Указанные государства** (если не указано иначе, для каждого вида региональной охраны): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LR, LS, MW, MZ, NA, RW, SD, SL, ST, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), евразийский (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM), европейский патент (AL, AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HR, HU, IE, IS, IT, LT, LU, LV, MC, MK, MT, NL, NO, PL, PT, RO, RS, SE, SI, SK, SM, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, KM, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

Опубликована:

- с отчётом о международном поиске (статья 21.3)
- до истечения срока для изменения формулы изобретения и с повторной публикацией в случае получения изменений (правило 48.2(h))
- с перечнем последовательностей в соответствии с Правилом 5.2(a)
- в черно-белом варианте; международная заявка в поданном виде содержит цвет или оттенки серого и доступна для загрузки из PATENTSCOPE.

(AAV9), который содержит одну или несколько аминокислотных замен по сравнению с белком VP1 капсида AAV9 дикого типа, которые повышают эффективность продукции (сборки) вектора на основе рекомбинантного аденоассоциированного вируса 9 серотипа (тAAV9), капсиду и вектору на основе вышеуказанного VP1, а также к их применению.